



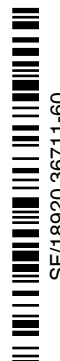
**SENADO FEDERAL**  
Gabinete do Senador RONALDO CAIADO

**PARECER Nº           , DE 2018**

**COMISSÃO DE ASSUNTOS SOCIAIS**

**Subcomissão Especial sobre Doenças Raras (CASRARAS)**

**(em cumprimento ao Requerimento da Comissão de Assuntos Sociais –  
RAS – nº 120, de 2017)**



SF/18920.36711-60



**SENADO FEDERAL**  
Gabinete do Senador RONALDO CAIADO

**Índice**

<b>Sumário Executivo .....</b>	<b>3</b>
<b>1. Introdução .....</b>	<b>4</b>
<b>2. Aspectos epidemiológicos e clínicos das doenças raras .....</b>	<b>4</b>
<b>3. As inovações terapêuticas para o tratamento de doenças raras .....</b>	<b>6</b>
<b>3.1. Desafio do provimento de medicamentos biológicos na rede pública de saúde .....</b>	<b>7</b>
<b>3.2. Questões referentes os registro de novos medicamentos para doenças raras no Brasil e sua incorporação ao SUS .....</b>	<b>9</b>
<b>4. A Subcomissão Especial sobre Doenças Raras .....</b>	<b>11</b>
<b>5. O PLC nº 56, de 2016 .....</b>	<b>14</b>
<b>6. Considerações finais .....</b>	<b>18</b>



SF/18920.36711-60



**SENADO FEDERAL**  
Gabinete do Senador RONALDO CAIADO

## **Sumário Executivo**

As demandas por efetivas políticas públicas de saúde para pessoas com doenças raras têm aumentado nos últimos anos. Dados não oficiais apontam que há cerca de oito mil doenças raras e, nesse contexto, o grande desafio dos sistemas públicos de saúde de todo o mundo é oferecer uma rede assistencial especializada no tratamento dessas enfermidades. Por sua vez, a oferta de medicamentos para algumas dessas doenças representa um desafio ainda maior, já que muitos desses fármacos são novos, de alto custo e de eficácia respaldada por poucos estudos clínicos. Portanto, o Sistema Único de Saúde (SUS) enfrenta o problema em duas frentes: a primeira é assegurar a incorporação dos medicamentos que sejam eficazes, sem comprometer a viabilidade orçamentária de todo o sistema. A segunda esta na articulação de meios para lidar com os altos custos decorrentes de mandados judiciais para compra de medicamentos não incorporados ao SUS, muitos dos quais sequer foram analisados pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) – para obtenção de registro – ou avaliados pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) – para incorporação ao SUS. Nesse sentido, da mesma forma que os sistemas de saúde de outros países, o SUS enfrenta um grande desafio: atender as diretrizes constitucionais de universalidade, igualdade e integralidade – ao oferecer tratamentos inovadores e de alto custo – face a um cenário de escassez de recursos.



SF/18920.36711-60



**SENADO FEDERAL**  
Gabinete do Senador RONALDO CAIADO

## **1. Introdução**

As demandas da sociedade por efetivas políticas públicas de saúde voltadas para as pessoas com doenças raras têm aumentando significativamente nos últimos anos. O número de doenças raras reconhecidas pela ciência médica é estimado em cerca de oito mil e, nesse contexto, o grande desafio dos sistemas públicos de saúde de todo o mundo é oferecer uma rede assistencial especializada no tratamento dessas enfermidades, muitas das quais são de difícil diagnóstico e não contam com tratamento curativo conhecido.

## **2. Aspectos epidemiológicos e clínicos das doenças raras**

O conceito de doença rara é baseado em critério exclusivamente epidemiológico e, desse modo, não se consideram, para a sua caracterização, os aspectos etiológicos – embora a maioria das afecções seja de origem genética –, e tampouco as características clínicas e laboratoriais.

No Brasil, o Ministério da Saúde considera doença rara aquela que afeta até 65 pessoas em cada 100.000 indivíduos, ou seja, 1,3 pessoas para cada 2.000 indivíduos.

Estima-se que existam de seis a oito mil tipos de doenças raras, das quais 75% afetam crianças e 80% têm origem genética. Em 30% dos casos, os pacientes morrem antes dos 5 anos de idade. Algumas dessas doenças se manifestam a partir de infecções bacterianas e virais, fatores



SF/18920.36711-60



**SENADO FEDERAL**  
Gabinete do Senador RONALDO CAIADO

alérgicos e ambientais, ou são degenerativas e proliferativas. Didaticamente, podemos classificar essas doenças da seguinte forma<sup>1</sup>:

- 2.1.1. origem genética (anomalias congênitas ou de manifestação tardia; deficiência intelectual e erros inatos do metabolismo); e
- 2.1.2. origem não genética (infecciosas; inflamatórias; autoimunes, outras doenças raras de origem não genética).

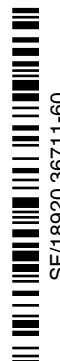
Todavia, o tema é bastante complexo e, de certa forma, as classificações propostas nem sempre são apropriadas, visto a extensa heterogeneidade epidemiológica, etiológica, clínica, propedêutica, terapêutica e prognóstica das afecções que se enquadram na categoria de doença rara, conforme se pode observar no documento constante do anexo desta nota.<sup>2</sup>

Do ponto de vista clínico, as doenças raras, em geral, são crônicas, progressivas, degenerativas e muitas vezes causam óbito. Não dispõem de tratamento curativo eficaz – embora existam medicamentos para tratamento sintomático em alguns casos – e, frequentemente, afetam a qualidade de vida dos pacientes e seus familiares. Estima-se que menos de 5% das doenças raras tenham algum tipo de tratamento eficaz.<sup>3</sup>

<sup>1</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas – PCDT. Disponível em <<http://portalsaude.saude.gov.br/index.php/o-ministerio/principal/leia-mais-o-ministerio/840-sctie-raiz/daf-raiz/cgceaf-raiz/cgceaf/13-cgceaf/18074>>. Acesso em: 18 ago. 2018.

<sup>2</sup> ORPHANET. Banco de dados gerenciado por consórcio de instituições acadêmicas de 35 países europeus contendo informações sobre doenças raras. Disponível em <[http://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/PT/lista\\_de\\_doen-as\\_raras\\_por\\_ordem\\_alfabetica.pdf](http://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/PT/lista_de_doen-as_raras_por_ordem_alfabetica.pdf)>. Acesso em: 18 ago. 2017.

<sup>3</sup> NATIONAL INSTITUTES OF HEALTH (NIH). Disponível em <<https://ncats.nih.gov/rdd>>. Acesso em 20 de agosto de 2018.





**SENADO FEDERAL**  
Gabinete do Senador RONALDO CAIADO

Todavia, nesse universo heterogêneo de doenças, evidencia-se um amplo espectro de manifestações clínicas e de prognósticos. De um lado, existem afecções que, uma vez diagnosticadas e tratadas tempestivamente, não produzem qualquer tipo de sequela e nenhum comprometimento da qualidade de vida dos pacientes. Possuem tais características, por exemplo, o hipotireoidismo congênito e a hiperplasia adrenal congênita – doenças rastreadas no teste do pezinho, realizado de rotina no Brasil.

De outro lado, existem doenças raras que evoluem de forma muito grave, a despeito da tempestividade do tratamento. Ademais, há doenças desprovidas de terapêutica específica, para as quais se podem contar apenas com medidas paliativas. Nesses casos, os pacientes apresentam evolução clínica desfavorável, com complicações que atingem vários órgãos e sistemas.

Esse grupo de doenças é exemplificado pela fibrose cística (que acomete progressivamente os aparelhos respiratório e digestivo, levando o paciente inexoravelmente ao óbito), pela doença de Huntington (afecção que causa graves sequelas neuropsiquiátricas), pela esclerose lateral amiotrófica (que acomete progressivamente a musculatura esquelética, responsável pelas funções motoras do corpo) e pela adrenoleucodistrofia (doença causadora de distúrbios cognitivos graves, cegueira, surdez e convulsões).

Embora a maioria das doenças raras ainda não disponha de tratamento, deve-se reconhecer o impacto promovido pelas inovações terapêuticas que surgiram nos últimos anos, notadamente o desenvolvimento dos chamados medicamentos biológicos.



SF/18920.36711-60



**SENADO FEDERAL**  
Gabinete do Senador RONALDO CAIADO

### **3. As inovações terapêuticas para o tratamento de doenças raras**

Nos últimos anos, foram desenvolvidos medicamentos que possibilitaram a oferta de tratamentos a algumas doenças raras. A chamada terapia de reposição enzimática, mediante a infusão de medicamentos biológicos, tornou possível a oferta de tratamentos eficazes para doenças raras que até então dispunham de terapias apenas paliativas. Dentre tais doenças, pode-se citar a doença de Gaucher, a doença de Fabry, algumas mucopolissacaridoses (I, II e III), a doença de Pompe e a doença de Niemann-Pick C.

Além da terapia de reposição enzimática, existem outras ferramentas terapêuticas para doenças raras disponíveis ou em desenvolvimento, a saber: moléculas que estabilizam e corrigem o funcionamento de enzimas defeituosas de algumas doenças raras (*chaperones* farmacológicos); medicamentos que reduzem a concentração de material tóxico produzido pelas referidas enzimas defeituosas (terapia de redução de substrato); a terapia genética e o transplante de células-tronco hematopoiéticas.

#### **3.1.Desafio do provimento de medicamentos biológicos na rede pública de saúde**

Esse inegável progresso da terapêutica clínica de pessoas com doenças raras impôs, simultaneamente, um grande desafio para os sistemas públicos de saúde de todo o mundo. Em razão do altíssimo custo desses tratamentos, governos e gestores de saúde pública buscam formas de



SF/18920.36711-60



**SENADO FEDERAL**  
Gabinete do Senador RONALDO CAIADO

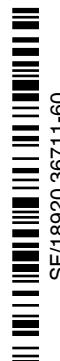
viabilizar a oferta gratuita desses produtos aos usuários dos serviços públicos de saúde.

Por exemplo, medicamentos biológicos utilizados no tratamento da artrite reumatoide – geralmente de uso prolongado – custam, por paciente, mais de doze mil dólares por ano. Alguns medicamentos custam ainda mais caro, o que onera sobremaneira o orçamento público.

De acordo com reportagem publicada na revista *The Economist*, em de 3 de janeiro de 2015, a oferta de tais tratamentos tem causado grandes impactos no orçamento dos serviços de saúde pública de países ricos. O problema agrava-se pelo fato de que, mesmo com o fim de suas patentes, não se espera o rápido aparecimento de medicamentos biológicos genéricos ou similares, visto que o processo de fabricação de cópias de biológicos é mais complexo e, por conseguinte, mais caro que a produção de formulações similares aos medicamentos tradicionais. Assim, no curto prazo, não há expectativas de expressiva queda do preço dos biológicos similares em relação ao medicamento de referência.

Outro problema existe no relato de especialistas da indústria farmacêutica de que cópias de medicamentos biológicos (conhecidas como biossimilares) dificilmente serão produzidas de maneira idêntica aos biológicos de referência, o que certamente suscitará questionamentos quanto à eficácia do tratamento indicado à base de similares.

Assim, a despeito da possibilidade de haver futuramente cópias mais baratas no mercado, provavelmente os biológicos de referência permanecerão sendo a primeira opção dos médicos, os quais não arriscariam



SF/18920.36711-60





**SENADO FEDERAL**  
Gabinete do Senador RONALDO CAIADO

indicar tratamento para doença potencialmente grave com produto de qualidade questionável.

Diante desse panorama, um dos grandes dilemas dos gestores do SUS será ofertar, com o orçamento de que dispõem, tratamentos mais modernos e eficazes, baseados em uso de medicamentos biológicos de referência, de custo muito elevado e com baixa probabilidade de se contar, futuramente, com a substituição por biológicos genéricos ou similares.

### **3.2.Registro de novos medicamentos para doenças raras no Brasil e sua incorporação ao SUS**

No Brasil, há evidente demanda da sociedade por maior acesso a esses tratamentos no SUS. A pauta apresentada sobre o tema tem, como prioridade, que tais medicamentos sejam mais rapidamente analisados tanto pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) – para obtenção de registro e permissão de uso no Brasil –, quanto pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) – para que, uma vez incorporados ao arsenal terapêutico do SUS, passem a ser disponibilizados gratuitamente a todos os pacientes no Brasil.

Essa atual conformação das instituições de saúde do Brasil permite que se expliquem as duas principais disfunções no que diz respeito à oferta de medicamentos para pacientes com doença rara.

O primeiro problema ocorre em relação aos produtos que não foram incorporados ao SUS pela CONITEC. Trata-se, portanto, de fármacos não disponíveis na rede pública de saúde e, por conseguinte, frequentemente



SF/18920.36711-60



**SENADO FEDERAL**  
Gabinete do Senador RONALDO CAIADO

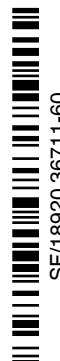
objeto de demandas judiciais por parte de pacientes que requerem o seu fornecimento gratuito pelo Estado.

Popularmente conhecido como “judicialização da saúde”, esse fenômeno, embora seja um modo legítimo de se buscar a efetiva concretização do direito à saúde, produz efeitos negativos à administração da saúde pública. Isso se exemplifica pelos consideráveis impactos administrativo, orçamentário e financeiro, os quais afetam a capacidade de os gestores executarem as políticas de saúde planejadas. Alega-se que, por mais que a “judicialização da saúde” diga respeito ao legítimo exercício de direitos fundamentais, trata-se de um indicador de funcionamento anômalo do sistema público de saúde. Registre-se que, em 2016, o Ministério da Saúde gastou 1,07 bilhão de reais para atender ordens judiciais de compra de medicamentos para doenças raras. Até julho de 2017, o órgão havia gasto aproximadamente seiscentos milhões de reais.

### **3.3. Disponibilização de medicamentos aos pacientes e efetividade da assistência prestada pelo SUS**

O outro problema ocorre nos casos de medicamentos incorporados ao SUS que, segundo alegam algumas entidades que representam pacientes com doenças raras, não são tempestivamente disponibilizados aos pacientes.

Além da questão de acesso a medicamentos, pacientes com doenças raras apontam que há outras inconformidades que impedem que a assistência prestada pelo SUS seja efetiva, a saber:



SF/18920.36711-60



**SENADO FEDERAL**  
Gabinete do Senador RONALDO CAIADO

difficuldade de acesso a unidades especializadas em diagnóstico e tratamento dessas afecções;

falta de uma rede assistencial de referência;

insuficiência de médicos especializados em doenças raras;

falta de conhecimento sobre o tema dos médicos que atuam na atenção básica de saúde;

difficuldades com o sistema de regulação do SUS (responsável por articular os serviços referência e contrarreferência entre as unidades básicas de saúde e os centros especializados);

falta de informação à população leiga sobre as doenças raras; e

ausência de um cadastro nacional de pacientes, que facilitaria o aprimoramento da gestão assistencial e a elaboração de pesquisas sobre o tema.

Não se pode olvidar que os problemas então relatados persistem a despeito da publicação, pelo Ministério da Saúde, da Portaria nº 199, de 30 de janeiro de 2014, que *institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprova as Diretrizes para Atenção Integral às*



SF/18920.36711-60



**SENADO FEDERAL**  
Gabinete do Senador RONALDO CAIADO

*Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e institui incentivos financeiros de custeio.*

Assim, as frequentes demandas para que o Senado Federal atue de modo a melhorar a assistência pública prestada aos pacientes com doenças raras motivaram a instalação de um foro para a discussão do assunto e para apresentação de soluções que atenuem o sofrimento de pacientes e familiares: a Subcomissão Especial sobre Doenças Raras (CASRARAS).

#### **4. A Subcomissão Especial sobre Doenças Raras**

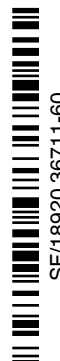
##### **4.1. Composição**

Por força da aprovação do Requerimento da Comissão de Assuntos Sociais (RAS) nº 120, de 2017, de autoria do Senador Waldemir Moka, foi instalada, no âmbito da Comissão de Assuntos Sociais (CAS) do Senado Federal, a CASRARAS.

A subcomissão é composta pelos seguintes Senadores:

**Presidente:** Senador Waldemir Moka; **Vice-Presidente:** Senador Dalirio Beber; **Relator:** Senador Ronaldo Caiado.

**Membros Titulares:** Senador Waldemir Moka; Senador Ailton Sandoval; Senador Dalirio Beber; Senadora Maria do Carmo Alves; Senadora Ana Amélia.



SF/18920.36711-60



**SENADO FEDERAL**  
Gabinete do Senador RONALDO CAIADO

**Membros Suplentes:** Senadora Ângela Portela; Senador Ronaldo Caiado; Senador Romário; Senador Cidinho Santos; Senador Armando Monteiro.

**4.2. Atividades ocorridas no âmbito da subcomissão**

As atividades no âmbito da CASRARAS envolveram reuniões, debates e audiências públicas em que participaram, além dos Senadores que compõem a Comissão, representantes de todos os segmentos envolvidos na questão, a saber:

diversas associações de pacientes com doenças raras;

pacientes com doenças raras;

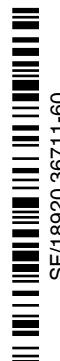
familiares de pacientes com doenças raras;

representantes das secretarias do Ministério da Saúde responsáveis pela logística de compra e de distribuição dos medicamentos para o tratamento de doenças raras;

representante da Advocacia-Geral da União (AGU);

representantes da Anvisa; e

representantes da CONITEC.



SF/18920.36711-60



**SENADO FEDERAL**  
Gabinete do Senador RONALDO CAIADO

A partir dos debates que ocorreram no âmbito da subcomissão, foram apresentadas sugestões para a solução dos principais problemas apontados.

#### **4.3.Deliberações**

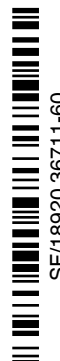
A CASRARAS atuou, conforme as prerrogativas que a Constituição Federal de 1988 deu ao Parlamento, para a resolução dos principais problemas evocados pelo segmento interessado.

Por meio da articulação e do debate entre membros das entidades que representam os pacientes e representantes dos órgãos do Poder Executivo envolvidos no assunto – notadamente Ministério da Saúde, Anvisa e CONITEC – buscou-se elaborar propostas para a resolução de muitos problemas que independem da atuação legislativa desta Casa.

Nesse contexto, a CASRARAS atuou com o objetivo de efetivamente:

promover maior celeridade aos processos de concessão de registro a medicamentos para o tratamento de doenças raras junto à Anvisa;

aperfeiçoar os processos de incorporação ao SUS de novos medicamentos para o tratamento de doenças raras no âmbito da CONITEC;



SF/18920.36711-60



**SENADO FEDERAL**  
Gabinete do Senador RONALDO CAIADO

melhorar a capacitação dos membros da CONITEC para que, com isso, seja possível tanto aumentar o acesso dos pacientes a tratamentos eficazes, quanto inibir a ocorrência de demandas judiciais;

melhorar os sistemas de compra e de distribuição de medicamentos para doenças raras no SUS;

aperfeiçoar os serviços de regulação do SUS (para que pacientes atendidos em Unidade Básica de Saúde tenham rápido acesso a centros especializados no diagnóstico e tratamento de doenças raras).

No que tange à atuação legislativa, havia, inicialmente, a intenção de se elaborar um projeto de lei para criar uma rede de assistência às pessoas com doenças raras e, desse modo, fomentar o aprimoramento, a efetividade e a amplitude territorial das políticas públicas direcionadas aos pacientes com essas enfermidades e aos seus familiares.

Todavia, após a ampla discussão ocorrida nas reuniões e nas audiências públicas realizadas com emissários das entidades que representam pacientes com doenças raras, concluiu-se que, nesse aspecto, a contribuição desta Subcomissão se daria por meio do apoio à célere aprovação do Projeto de Lei da Câmara (PLC) nº 56, de 2016, (Projeto de Lei nº 1.606, de 2011, na Casa de origem), de autoria do Deputado Marçal Filho, que *institui a Política Nacional para Doenças Raras no Sistema Único de Saúde – SUS*.



SF/18920.36711-60



**SENADO FEDERAL**  
Gabinete do Senador RONALDO CAIADO

**5. O PLC nº 56, de 2016**

Na Câmara dos Deputados, o PLC nº 56 de 2016, havia sido apreciado e aprovado nas Comissões de Seguridade Social e Família (CSSF), de Finanças e Tributação (CFT) e de Constituição e Justiça e de Cidadania (CCJC). O projeto pretende implementar, no SUS, um verdadeiro subsistema de atenção ao paciente com doença rara, a saber:

estabelece a Rede Nacional de Cuidados ao Paciente com Doença Rara;

cria, no âmbito da União, incentivos de custeio mensais referentes a equipes profissionais e procedimentos, bem como estabelece a fonte desses recursos;

cria e estabelece competências para o Grupo Condutor da Rede Estadual de Cuidados ao Paciente com Doença Rara;

define as atribuições de cada esfera de governo na operacionalização da referida Rede;

configura os componentes e as ações estratégicas da atenção básica na Rede Estadual de Cuidados ao Paciente com Doença Rara e da Atenção Especializada e Reabilitação;



SF/18920.36711-60





**SENADO FEDERAL**  
Gabinete do Senador RONALDO CAIADO

determina a estruturação de centros de referência em cada unidade da Federação;

promove o direito de acesso aos medicamentos órfãos para doenças raras;

implementa uma base de dados nacional de pacientes em tratamento;

assegura prioridade na análise da solicitação do registro sanitário de medicamento órfão no País e estabelece os procedimentos e tempos máximos a serem seguidos pela Anvisa para tanto, sendo que a inobservância desses prazos implica a concessão automática do registro sanitário;

dispõe sobre o processo de fixação de preços de medicamentos órfãos para doenças raras e fixa prazos a serem seguidos pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED);

normatiza o procedimento de incorporação de medicamentos órfãos para tratamento de doenças raras no âmbito do SUS;



SF/18920.36711-60



**SENADO FEDERAL**  
Gabinete do Senador RONALDO CAIADO

prevê que a incorporação de medicamento órfão seja considerada sob o aspecto da relevância clínica, e não sob o aspecto da relação custo-efetividade;

no que se refere aos critérios de segurança, eficácia e efetividade dos medicamentos órfãos, determina que a análise será feita posteriormente ao fornecimento do medicamento, por meio de um sistema nacional de acompanhamento e monitoramento de pacientes; e

institui o Cadastro Nacional de Pacientes com Doenças Raras no âmbito do Ministério da Saúde.

Durante sua apreciação na CAS, o PLC nº 56, de 2016, teve seu notável mérito prontamente reconhecido. Apesar disso, julgou-se necessário empreender alguns ajustes, notadamente nos dispositivos que pretendem regular os seguintes processos referentes aos medicamentos órfãos: registro junto a Anvisa; fixação dos preços na CMED; e incorporação de novos medicamentos ao SUS por meio da atuação da CONITEC. Assim, foram sugeridas quatro emendas com os seguintes objetivos:

salvaguardar a higidez da população brasileira ao retirar a possibilidade de registro automático de medicamento, sem prévia deliberação da Anvisa;

determinar como prioritárias as análises de registro e de pós-registro dos medicamentos órfãos, conforme dispõe



SF/18920.36711-60



**SENADO FEDERAL**  
Gabinete do Senador RONALDO CAIADO

o art. 17-A da Lei nº 6.360, de 23 de setembro de 1975, recentemente acrescentado pela Lei nº 13.411, de 28 de dezembro de 2016;

aperfeiçoar a atuação da CMED na definição dos preços dos medicamentos órfãos novos;

preservar as prerrogativas legais da CONITEC no que diz respeito aos critérios de análise para incorporação de novos medicamentos no âmbito do SUS, e

proteger a saúde dos pacientes ao impedir a distribuição de medicamentos sem a prévia análise de sua eficácia clínica e de sua toxicidade.

Em 4 de julho deste ano, a CAS aprovou o Relatório de minha autoria, que passou a constituir Parecer favorável ao PLC nº 56, de 2016, com as Emendas nos 1-CAS a 4-CAS. Em 11 de julho, o Plenário do Senado Federal aprovou o projeto e as referidas Emendas, nos termos do parecer de instrução. O projeto foi então remetido à Câmara dos Deputados para análise das emendas apresentadas.

## **6. Considerações finais**

O SUS, criado pelo Congresso Nacional, na Assembleia Constituinte de 1988, tendo por inspiração o debate promovido pelo movimento da Reforma Sanitária Brasileira desde a década de 1970, constitui o maior programa de inclusão social do País.



SF/18920.36711-60



**SENADO FEDERAL**  
Gabinete do Senador RONALDO CAIADO

Hoje, mais de 160 milhões de brasileiros dependem exclusivamente dos serviços públicos de saúde, significativa parte dos quais não tinha direito ao atendimento antes do advento do SUS. A grande transformação operada foi a instituição da saúde como um direito de cidadania, com a constituição de uma política de saúde pública universal e igualitária, rompendo com o modelo até então vigente, de políticas focalizadas.

Desde a criação do SUS, temos assistido a uma árdua luta pela sua efetiva implantação, o que exige o compromisso e o trabalho conjunto dos governos federal, estaduais e municipais. Ainda que se tenha avançado muito nesse sentido, há muito o que fazer para completar a tarefa e consolidá-la. Um dos maiores desafios atuais é assegurar uma efetiva política de assistência aos pacientes com doenças raras.

Especialmente nesse contexto, o SUS lida com grandes contradições. Uma delas é o evidente descompasso entre o previsto no seu arcabouço legal e a realidade dos serviços de saúde disponíveis para pessoas com doenças raras, fato facilmente constado pelas dificuldades no acesso e na utilização dos serviços, pela precariedade do atendimento oferecido, pelas longas filas de espera e pela escassez de recursos diagnósticos e terapêuticos.

Em suma, as políticas públicas de saúde, por seu turno, enfrentam o desafio de organizar um sistema de saúde capaz de atender às necessidades dos pacientes com doenças raras frente a duas forças opostas: limitação dos recursos e pressão cada vez maior por expansão do volume de gastos, haja vista o alto custo dos medicamentos biológicos, paradigma da inovação tecnológica que vem ocorrendo no tratamento das doenças raras.



SF/18920.36711-60



**SENADO FEDERAL**  
Gabinete do Senador RONALDO CAIADO

Nesse contexto, a atuação da CASRARAS buscou dar resposta a uma premente demanda de importante parcela da sociedade. Para isso, ofereceu preciosa oportunidade para que pacientes, familiares e entidades de pacientes relatassem diretamente aos próprios representantes do Poder Público os problemas que os impedem de obter, no SUS, efetivo tratamento para suas enfermidades.

Proporcionada pela criação da Subcomissão, a articulação bipartite, ocorrida entre pacientes e autoridades públicas, certamente contribuirá para a solução definitiva de muitos problemas assistenciais reiteradamente apontados pelos usuários do SUS.

Além disso, no que tange à produção legislativa, a Subcomissão atendeu a uma importante demanda das entidades que representam pacientes com doenças raras: atuou decisivamente para a célere aprovação, nesta Casa, do PLC nº 56, de 2016, com a apresentação de importantes emendas para, ainda mais, aperfeiçoá-lo.

Por fim, ressaltamos que a CASRARAS acolheu pessoas de diversas partes do País e com diferentes histórias de vida, que compareceram ao Senado Federal com o ideal de melhorar a saúde pública no País.

Além de debates de natureza técnica, normativa e legislativa, esta Subcomissão proporcionou um notável compartilhamento de experiências de vida, de conhecimento e de solidariedade entre seus participantes.



SF/18920.36711-60



**SENADO FEDERAL**  
Gabinete do Senador RONALDO CAIADO

Pode-se, assim, concluir que a Subcomissão Especial sobre Doenças Raras cumpriu inteiramente o seu papel.

Sala da Comissão,

**SENADOR RONALDO CAIADO**  
**DEM/GO**



SF/18920.36711-60